



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

13. november 2020
EMA/594092/2020
EMA/H/C/005123

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Puldysa (idebenoon)

Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH võttis tagasi ravimi Puldysa müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud Duchenne'i lihasdüstroofia raviks.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 28. oktoobril 2020.

Mis on Puldysa ja milleks kavatseti seda kasutada?

Puldysa töötati välja ravimina hingamise halvenemise raviks Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsientidel, kes ei saa kortikosteroide.

Ravim sisaldab toimeainena idebenooni ja seda kavatseti turustada suukaudsete õhukese polümeerkattega tablettidena.

See töötati välja hübriidravimina. See tähendab, et Puldysa pidi olema sarnane võrdlusravimiga, mis sisaldab sama toimeainet ja millel juba on Euroopa Liidus müügiluba. Võrdlusravim on Mnesis, mis on Itaalias heaks kiidetud glaukoomi raviks.

Puldysa nimetati 20. märtsil 2007 Duchenne'i lihasdüstroofia harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [siin](#).

Kuidas Puldysa toimib?

Puldysa toimeaine idebenoon on antioksidant, millel on toime mitokondritele (rakusisesed struktuurid, mis toodavad rakutegevuse jaoks vajalikku energiat). Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsientidel ei toimi mitokondrid normaalselt ja toodavad toksilisi hapnikuvorme, mis kahjustavad lihaserakke. Idebenoon aitab eeldatavasti soodustada energia tootmist, taastades mitokondrite talitluse, takistades sellega rakkude ja lihasefunktsiooni, sealhulgas hingamislihaste funktsiooni kahjustumist.

Idebenoon on Euroopa Liidus heaks kiidetud ka kognitiivsete ja käitumishäirete, Friedreichi ataksia ja Leberi päriliku optilise neuropaatia raviks.



Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas tulemused kolmest põhiuuringust, milles osalesid Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsiendid, kes ei saanud kortikosteroidravi. Kahes uuringus võrreldi Puldysat platseeboga (näiva ravimiga) ning efektiivsuse näitaja oli kopsutalitluse paranemine ehk PEF-väärtuse (ekspiratoorne tippvool ehk maksimaalne õhu väljahingamiskiirus) muutus pärast üheaastast ravi. Kolmandas uuringus jälgiti Puldysaga ravitud patsiente kauem, et näha, kas toime hingamisele säilis.

Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Ravimiamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Amet oli ettevõttele esitatud viimaste küsimuste vastused läbi vaadanud, kuid mõni probleem oli veel lahendamata.

Mis oli sel ajal ameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile ja ettevõtte vastustele ameti esitatud küsimustele, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et Puldysa kasutamist hingamisfunktsiooni halvenemise raviks Duchenne'i lihasdüstroofiaga patsientidel, kes ei saa kortikosteroidravi ei ole võimalik heaks kiita.

Amet leidis, et kasulik toime kopsutalitlusele ei ole uuringutes järjepidev ja on ebaselge, kas see toime on pikaajaline.

Seetõttu oli amet müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et Puldysa eelised ei kaalu üles selle riske.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Ravimiametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et võtab taotluse tagasi, sest toimuv põhiuuring, millest oodati täiendavaid tõendeid Puldysa kohta Duchenne'i lihasdüstroofia raviks, peatati, sest see ei täitnud eesmäärke.

Kuidas mõjutab tagasivõtmine praegu kliinilistes uuringutes või eriloaga kasutamise programmides osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas ametile, et kõik Puldysa kliinilised uuringud ja eriloaga kasutamise programmid Duchenne'i lihasdüstroofia raviks peatatakse. Kliiniliste uuringute arstid pöörduvad patsientide poole, et korraldada lõplikud järelkontrollid.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus või eriloaga kasutamise programmis ja vajate lisateavet, pöörduge kliinilise uuringu arsti poole.